
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'utilisateurs

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	3
Médicament sur lequel porte cette contribution	4
1. Questionnaire – Partie A	5
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	5
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	5
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	6
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	6
1.3. Le médicament évalué	6
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	7
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	7
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	7
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	7
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	8
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	8
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	8
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	9
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	9
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	9
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	10
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données	11
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	12
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	13
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	14
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	15

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.

Identité de l'association ou du groupe

ELLyE Ensemble Leucémie Lymphome Espoir

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

ELLyE – Ensemble Leucémie Lymphomes Espoir

Site internet :

www.ellye.fr

Adresse postale(le cas échéant) :

1 av. Claude Vellefaux
75475 Paris cedex 10

Nature de la structure :

- ☒ Association agréée au niveau national
 - ☐ Association agréée au niveau régional
 - ☐ Association non agréée
 - ☐ Autre (préciser) :
-

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Lymphoma Coalition, Européenne Hematology Association

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

IMBRUVICA

Dénomination commune internationale (DCI) :

Ibrutinib

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

Indiqué en combinaison du rituximab dans le traitement d'une leucémie lymphoïde chronique (LLC) non précédemment traités, éligibles à un traitement à base de fludarabine à pleine dose et ne présentant pas de délétion 17p ou de mutation TP53.

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

La leucémie lymphoïde chronique (LLC) est détectée chez 4500 nouvelles personnes en France chaque année. C'est une maladie encore incurable actuellement. La LLC a une évolution lente et est souvent détectée au stade indolent. 2/3 des personnes diagnostiquées auront besoin d'un traitement. Lorsque la maladie évolue et nécessite un traitement, les principaux symptômes déclarés par les patients sont la prise de volume des ganglions, la fatigue, l'essoufflement et les infections fréquentes.

- **La fatigue** : c'est le premier symptôme de la maladie mentionnée par tous les patients qui ont répondu à notre enquête et par plus de 40% des patients ayant répondu à l'enquête de la lymphoma coalition.
- **Bien-être psychologique** : Le niveau de stress et d'anxiété des patients est dû à la chronicité de la maladie et des rechutes. Selon l'enquête de la lymphoma coalition, 26% des patients sont anxieux, 17% sont en dépression ou en isolement et 33% ont une inquiétude générale. Au cours du mois précédent la réponse à cette enquête, 42% ont déclaré avoir eu une dépression.
- **Activité de la vie quotidienne** : L'activité physique même modérée est ralentie notamment à cause de la fatigue et des douleurs musculaires. 65% des patients déclarent une difficulté sur l'activité physique avec 48% d'entre eux qui note la sévérité de minimum 3 sur 6.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportées par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

✓ Non

¹ Parfois appelés PROMs. Les '*Patient reported outcomes measures*' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

☐ Oui, lesquels ?

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

Aucun aidant n'a répondu à notre enquête mais nous savons que les patients atteints de maladies chroniques ont besoin d'un soutien et que les aidants jouent un rôle important.

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Les patients de cette indication ont accès aux associations de traitement immunochimiothérapie FCR ou FCR+2R, selon l'âge du patient.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Ces associations sont connues et les effets indésirables sont bien gérés. Ce type de traitements est un traitement à durée fixe.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les effets indésirables lourds de la chimiothérapie sont connus.

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne couvrent pas tous vos besoins ?

En première ligne, le FILO recommande l'ibrutinib, pour les patients de moins de 65 ans et pour les patients plus âgés. Cependant, le FILO recommande aussi l'ibrutinib pour les patients IGHV non muté et de plus de 65 ans (patients âgés et complexe).

1.3. Le médicament évalué

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

/

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ?

L'indication semble claire et correspond à l'essai clinique avec des patients proches de IPI-LLC intermédiaire.

1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :

Quelles sont les principales améliorations constatées par rapport aux traitements actuels ?

Les effets indésirables et l'administration du traitement sont moins contraignants et complexes. L'administration orale à domicile est une administration qui respecte la qualité de vie du patient.

1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Quels sont les principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

L'ibrutinib est une prise de traitement sans durée fixe et les effets indésirables s'aggravent avec le temps. Les problèmes cardiaques mènent notamment à changer d'inhibiteur BTK après quelques mois ou années.

**1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué :
quelles sont vos attentes et vos craintes ?**

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne sont pas appropriés ?

Quels sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?

2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.*

La façon dont cette surveillance et cette collecte de données sont organisées est décrite en détail dans un document spécifique nommé « Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données », ou : PUT-RD.

Nous vous invitons à nous donner votre avis sur les données ou informations qu'il

serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données

Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

☐ Oui

☐ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse

La leucémie lymphoïde chronique (LLC) est une maladie encore incurable actuellement. La LLC a une évolution lente et est souvent détectée au stade indolent. 2/3 des personnes diagnostiquées auront besoin d'un traitement. Lorsque la maladie évolue et nécessite un traitement, les principaux symptômes déclarés par les patients sont la prise de volume des ganglions, la fatigue, l'essoufflement et les infections fréquentes. La fatigue et l'immunodépression sur de longues années impact fortement la qualité de vie des patients.

Les traitements actuellement proposés en première ligne, pour les patients sans mutation TP53 et délétion 17p, associent de l'immunothérapie et de la chimiothérapie. Ces traitements ont l'avantage d'être utilisés depuis longtemps ce qui permet une gestion des effets indésirables moins complexes même si ceux-ci sont lourds. Cependant, ces traitements nécessitent une hospitalisation même si cette dernière est sur une durée fixe.

L'ibrutinib est un traitement faisant partie des thérapies ciblées, ce qui engendre moins d'effets indésirables. Ce traitement est également en prise orale à domicile, même si cette dernière est jusqu'à progression. Ce qui permet au patient une meilleure qualité de vie avec moins de stress dû aux hospitalisations. Cependant, l'administration jusqu'à progression peut occasionner des effets indésirables cardiaques sur le long terme. Il serait préférable de passer à une durée fixe.

Ce renouvellement a été demandé afin d'évaluer les données sur de plus long terme. L'étude a actuellement un suivi de 6 ans. Cette étude démontre notamment que la PFS, au bout de 6 ans, est favorable au traitement Ibrutinib + Rituximab avec un HR de 0.31. Ce chiffre est donné pour des patients avec un IPI-LLC intermédiaire, ce qui correspond à l'indication demandée.

En conclusion, ce traitement correspond aux attentes de nos patients qui souhaitent avoir un traitement permettant une rémission la plus longue possible en limitant l'impact sur leur qualité de vie.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

Notre contribution repose sur deux enquêtes auprès des patients : l'enquête de la lymphoma coalition de 2024 et l'enquête spécifique pour l'Imbruvica qui permet aussi de recueillir le témoignage fait auprès des patients.

Selon quelles méthodes avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement ?

Notre enquête a été partagée à nos adhérents et aux investigateurs connaissant les patients concernés pour leur faire suivre.

Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?

Aline Renoult (chargé de mission), Guy Bouguet (Président)

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?

Non

Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?

15h

Avez-vous rencontré des difficultés pour remplir ce questionnaire, et si oui, lesquelles ?

Difficulté pour trouver les patients concernés et pour avoir accès aux articles ou autres éléments pour comprendre le dossier sans y avoir accès.

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

